

NOTA TÉCNICA Nº 8526/2025 - NAT-JUS/SP

1. Identificação do solicitante

- 1.1. Solicitante: [REDACTED]
- 1.2. Processo nº 5000039-80.2025.4.03.6703
- 1.3. Data da Solicitação: 24/10/2025
- 1.4. Data da Resposta: 17/12/2025
- 1.5. Requerida: SAÚDE PÚBLICA

2. Paciente

- 2.1. Data de Nascimento/Idade: 04/03/2004 – 21 anos
- 2.2. Sexo: Feminino
- 2.3. Cidade/UF: Campinas/SP
- 2.4. Histórico da doença: Angioderma hereditário – D84.1

3. Quesitos formulados pelo(a) Magistrado(a)

1. Caso o medicamento seja incorporado, a parte autora se enquadra integralmente na hipótese de incorporação?

Não, pois de acordo com os documentos apresentados a paciente apresenta crises mensais e a proposta de incorporação é para pessoas com 3 ou mais crises por mês. Entretanto, o quadro é grave e refratário a outros tratamentos, conforme afirmado nos documentos apresentados.

2. Caso haja manifestação contrária da CONITEC para incorporação, a parte autora apresentou evidências científicas de alto nível decorrentes de estudos posteriores à avaliação pelo órgão?

A CONITEC avaliou a incorporação do medicamento para pessoas com Angioedema Hereditário tipo I e II em pacientes com 12 anos ou mais, com falha ou contraindicação a danazol e que apresentam três ou mais crises por mês, e seus membros deliberaram, por unanimidade, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do lanadelumabe. Considerou-se os elevados valores incrementais da razão de custo-efetividade e do impacto orçamentário, diante do total de pacientes que seriam beneficiados. Assim, o medicamento foi considerado eficaz porém sua incorporação foi considerada insustentável no âmbito do SUS.

3. A parte autora esgotou todo o PCDT? Esgotou todas as alternativas disponíveis no SUS?

A alternativa terapêutica disponível no SUS para a profilaxia de longo prazo é o danazol, na dose máxima diária de 200 mg. Seu uso pode causar ganho de peso, cefaleia, mialgia, depressão, acne, hipertensão arterial e alteração da libido. Em mulheres, pode causar distúrbios menstruais, como amenorreia, e hirsutismo (Brasil, 2024). De acordo com a equipe médica assistente, o danazol não foi indicado para a paciente em tela por ela apresentar acne extensa e grave, o que poderia piorar com o danazol. A equipe afirma, ainda, que além do dano estético, pode haver processo inflamatório persistente que favoreça a ocorrência de crises da doença.

4. Quais são todas as indicações terapêuticas aprovadas pela ANVISA para o medicamento pretendido?

De acordo com o PCDT da doença, há danazol, icatibanto, Inibidor do C1 esterase derivado de plasma humano, sendo só o primeiro indicado para a prevenção de crises.

5. A indicação específica para [CID da parte autora] consta como uso aprovado/autorizado pela ANVISA para o medicamento pleiteado?

Sim.

6. Caso a indicação não esteja aprovada, trata-se de uso off-label do medicamento?

Não.

7. Existem ensaios clínicos randomizados de qualidade metodológica adequada (Fase III, duplo-cego, controlados) que demonstrem a eficácia e segurança do medicamento especificamente para o quadro da parte autora?

Evidências provenientes de ensaios clínicos de fase 2 e fase 3 demonstram que lanadelumabe é eficaz na profilaxia do angioedema hereditário tipo I e II. O estudo pivotal de fase 3 (HELP Study) mostrou que lanadelumabe, administrado por via subcutânea em doses de 150 mg a cada 4 semanas, 300 mg a cada 4 semanas ou 300 mg a cada 2 semanas, reduz significativamente a taxa de ataques em comparação ao placebo, com redução de até 86,9% na frequência de crises na dose de 300 mg a cada 2 semanas (Banerji, 2018; Riedl, 2020; Busse, 2021). O início do efeito é rápido, já nas primeiras semanas, e a eficácia é sustentada ao longo do tratamento (Riedl, 2020; Banerji, 2022).

8. Os estudos disponíveis demonstram:

- a) Superioridade em relação às opções disponíveis no SUS?

Para profilaxia de longo prazo, o SUS disponibiliza oxandrolona e ácido tranexâmico. Em casos de crises agudas, é oferecida infusão de plasma fresco em ambiente hospitalar.

Não existem estudos clínicos que comparem diretamente o lanadelumabe com o danazol para o tratamento do angioedema hereditário. Os dados disponíveis sobre lanadelumabe provêm de ensaios clínicos randomizados controlados por placebo, que demonstraram sua eficácia e segurança para profilaxia de longo prazo do angioedema hereditário com

deficiência de C1 inibidor (Banerji, 2018). Já o danazol, um androgênio atenuado, tem sua eficácia estabelecida em estudos mais antigos, mas com perfil de segurança desfavorável, especialmente em uso prolongado, conforme revisão sistemática (Riedl, 2015; Gelfand, 1976). De acordo com a avaliação econômica realizada durante a análise da CONITEC, o lanadelumabe é uma tecnologia com maior eficácia e maior custo comparativamente à opção terapêutica disponível no SUS, com uma razão de custo-efetividade incremental (RCEI) igual a R\$ 1.040.253 por ano de vida ajustado pela qualidade adicional.

- b) Ganho de sobrevida global estatisticamente significativo? Como a doença se caracteriza por crises, o desfecho estudado foi redução das mesmas.
- c) Ganho de sobrevida livre de progressão? Não se aplica.
- d) Melhora de qualidade de vida mensurável? Foi estudado, com evidências de melhora (Busse, 2020; Syed, 2019)

9. O esquema proposto está em conformidade com:

- a) Protocolos internacionais reconhecidos? Sim
- b) Bula aprovada pela ANVISA? Sim
- c) Literatura científica de qualidade? Sim

10. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento pretendido em relação aos demais tratamentos disponíveis no SUS?

Como já exposto, não há estudos diretos de comparação.

11. Qual a taxa de sobrevida global do medicamento em relação aos demais tratamentos já realizados pela parte autora?

Como já exposto, não há estudos diretos de comparação.



4. Descrição da Tecnologia

4.1. Tipo da tecnologia: MEDICAMENTO

Medicamento	Princípio Ativo	Registro na ANVISA	Disponível no SUS?	Opções disponíveis no SUS / Informações sobre o financiamento	Existe Genérico ou Similar?
LANADELUMABE 150mg 1 ampola SC a cada 2 sem	Lanadelumabe	1063902900033	Não	Danazol, icatibanto, Inibidor do C1 esterase derivado de plasma humano	Não

Medicamento	Marca Comercial	Laboratório	Apresentação	PMVG	Dose	Custo Anual*
LANADELUMABE	TAKHZYRO	TAKEDA PHARMA LTDA.	150 MG/ML SOL INJ SC CT 1 SER PREENC VD TRANS X 1 ML	R\$ 16.690,88	150mg 1 ampola SC a cada 2 sem	R\$ 450.653,76
CUSTO TOTAL ANUAL - PREÇO MÁXIMO DE VENDA AO GOVERNO						R\$ 450.653,76
MÉDICO PRESCRITOR						SAÚDE PÚBLICA

* Cálculo anual somente para medicamentos não incorporados na política pública do SUS, mas com registro na ANVISA, conforme Tema de Repercussão Geral nº 1234.

4.2. Fonte do custo da tecnologia: Lista de preços CMED/Anvisa - Referência DEZEMBRO/2025

4.3. Recomendações da CONITEC: () RECOMENDADO (x) NÃO RECOMENDADO () NÃO AVALIADO

Os membros do Comitê de Medicamentos presentes na 136ª Reunião Ordinária da Conitec, no dia 05/12/2024, deliberaram, por unanimidade, que a matéria fosse disponibilizada em consulta pública com recomendação preliminar desfavorável à incorporação do lanadelumabe para profilaxia de crises de angioedema hereditário (AEH) tipo I e II para pacientes a partir de 12 anos de idade com falha ou contraindicação ao danazol e três ou mais crises por mês. Considerou-se os elevados valores incrementais da razão de custo-efetividade e do impacto orçamentário, diante do total de pacientes que seriam beneficiados. Esta deliberação é preliminar e poderá sofrer alteração após a consulta pública

5. Discussão

5.1. Evidências sobre a eficácia e segurança da tecnologia

Sobre o Angioedema e Angioedema Hereditário (AEH)

O angioedema é uma reação vascular caracterizada por edema transitório e localizado em pele, subcutâneo ou órgãos internos, devido ao aumento da permeabilidade dos vasos sanguíneos. O angioedema hereditário (AEH) é uma doença genética rara, causada por deficiência ou disfunção do inibidor de C1 esterase (C1-INH), proteína que regula o sistema complemento. Existem duas formas principais: AEH com deficiência quantitativa (Tipo I) ou funcional (Tipo II) de C1-INH, e AEH com níveis normais dessa proteína (AEH-nC1-INH).

A gravidade da doença varia individualmente, podendo apresentar aumento na frequência e intensidade das crises na puberdade. O início precoce dos sintomas pode indicar forma mais severa da doença. As crises são imprevisíveis quanto à localização, recorrentes e costumam se resolver em dois a três dias. Os principais locais acometidos incluem extremidades, face, abdômen e vias aéreas superiores. Os ataques abdominais são comuns e se manifestam com dor intensa. Já os episódios que afetam as vias aéreas são os mais graves, devido ao risco de obstrução e asfixia.

Diretrizes nacionais e internacionais sobre o angioedema hereditário (AEH) recomendam, como primeiro passo no manejo da doença, a educação dos pacientes e familiares, identificação e eliminação de fatores desencadeantes, monitoramento da frequência e gravidade das crises e a definição de um plano de ação para tratamento. O tratamento farmacológico do AEH é dividido em três frentes: profilaxia de longo prazo, profilaxia de curto prazo e tratamento sob demanda (crises agudas).

A profilaxia de longo prazo tem como objetivo reduzir a frequência, gravidade e duração das crises, sendo indicada nos casos em que o controle não é alcançado apenas com o tratamento sob demanda. As clássicas medicações usadas para a profilaxia de longo prazo incluem os andrógenos atenuados e os agentes antifibrinolíticos. As Diretrizes Brasileiras de 2022 destacam novos tratamentos de primeira linha, como concentrados de C1-INH e inibidores de calicreína. A profilaxia de curto prazo é indicada em situações de risco iminente de crise, como cirurgias ou procedimentos invasivos.

No tratamento das crises agudas, os medicamentos considerados de primeira linha são: concentrado de C1-INH derivado do plasma (pdC1-INH), C1-INH recombinante humano (rhC1-INH), acetato de icatibanto por via subcutânea e ecalantide subcutâneo. Esses fármacos devem ser utilizados sempre que disponíveis, uma vez que são eficazes no controle rápido da crise.

No âmbito do SUS, o único tratamento disponível para ataques agudos, conforme o PCDT de 2018, é o plasma fresco congelado. Apesar de conter C1- INH e outros

componentes relevantes, sua eficácia e segurança no AEH não foram validadas em ensaios clínicos, e há risco de agravamento do quadro por aumento da produção de bradicinina.

Em 22 de dezembro de 2023, a CONITEC publicou o Relatório de Recomendação nº 861, que avaliou o acetato de icatibanto (medicamento pleiteado pelo paciente) para o tratamento de crises de AEH em pacientes com dois anos ou mais de idade, emitindo parecer favorável à sua utilização, porém restrita ao ambiente hospitalar.

Da avaliação da CONITEC sobre sua incorporação (Brasil, 2024): foram incluídos quatro estudos, sendo dois relativos ao ensaio clínico randomizado HELP e os demais sobre o estudo de extensão do HELP (HELP OLE). O estudo HELP foi avaliado como de baixo risco de viés pela ferramenta RoB 2.0 e o estudo HELP OLE como de risco de viés grave pela ferramenta ROBINS-2 e teve como objetivo avaliar a eficácia do lanadelumabe para a profilaxia a longo prazo em pacientes com AEH tipo I e II a partir de 12 anos de idade e que apresentavam pelo menos uma crise da doença por mês. O uso prévio de profilaxia não foi um critério de elegibilidade do estudo. De acordo com os resultados obtidos, o lanadelumabe tem maior eficácia em relação ao placebo independentemente do esquema terapêutico utilizado (lanadelumabe 150 mg a cada quatro semanas, 300 mg a cada quatro semanas e 300 mg a cada duas semanas, administrados por via subcutânea). Foi observada redução estatisticamente significativa no número médio de ataques a cada 28 dias em todos os grupos tratados com lanadelumabe em comparação ao placebo, sendo a maior redução média observada no grupo lanadelumabe 300 mg a cada duas semanas (0,26; IC 95%: 0,14 a 0,46). Neste grupo também foi observado o maior número de pacientes livres de ataque. Os pacientes tratados com lanadelumabe apresentaram melhora estatisticamente significativa no escore de qualidade de vida medido pelo instrumento AE-QOL, sendo que no grupo tratado com 300 mg de lanadelumabe a cada duas semanas, 81% dos pacientes atingiram a diferença mínima clinicamente importante. Os eventos adversos relacionados ao tratamento mais comuns foram dor no local da injeção (41,7%), eritema no local da injeção (9,5%), hematomas no local da injeção (6,0%) e dor de cabeça (7,1%). A certeza da evidência foi considerada moderada de acordo com o GRADE, devido à penalização por evidência indireta, já que a população do estudo difere da população alvo da presente demanda. No estudo HELP, a refratariedade à profilaxia com danazol não foi um critério de elegibilidade e menos de 10% dos pacientes haviam feito uso prévio de profilaxia oral, seja com andrógenos ou antifibrinolíticos. Além disso, foram incluídos no estudo pacientes que apresentavam pelo menos uma crise de AEH por mês, dos quais cerca de metade apresentava três ou mais crises ao mês. O estudo HELP-OLE é um estudo de extensão de braço único do ensaio clínico HELP cujo objetivo primário foi avaliar a segurança do uso do lanadelumabe a longo prazo.

O perfil de segurança foi similar ao observado no estudo HELP. Eventos adversos relacionados ao tratamento foram reportados por 54,7% dos pacientes, sendo os mais

comuns dores no local da injeção (47,2%), infecção viral do trato respiratório superior (42,0%), infecção do trato respiratório superior (25,9%) e dor de cabeça (24,5%). Não houve relatos de eventos adversos graves relacionados ao tratamento. A média de dias para o primeiro ataque de AEH no grupo tratado com 300 mg de lanadelumabe a cada quatro semanas foi igual a 53 (IC 95%: 16 a 85 dias) e 78 no grupo que recebeu 300 mg de lanadelumabe a cada duas semanas (IC 95%: 41 a 111 dias). Pacientes oriundos do grupo placebo do estudo HELP que iniciaram tratamento com lanadelumabe no HELP OLE apresentaram tempo médio até o primeiro ataque igual a 33 dias (IC 95%: 26 a 45).

5.2. Benefício/efeito/resultado esperado da tecnologia

Redução de crises ameaçadoras à vida

6. Conclusão

6.1. Parecer

- (x) Favorável
() Desfavorável

6.2. Conclusão Justificada

Existem evidências sobre o uso do medicamento, considerado eficaz para o tratamento do angioedema hereditário com crises frequentes, que é o caso da paciente, com múltiplas internações em UTI. Não foi utilizado o medicamento disponível no SUS por questões relacionadas à ocorrência de acne grave na paciente.

A CONITEC avaliou a incorporação do medicamento para a situação clínica proposta em dezembro de 2024, com recomendação preliminar desfavorável à sua incorporação, pois, apesar de ser medicamento potencialmente mais eficaz que o danazol (em comparação indireta, pois não há estudos de comparação direta), disponível no SUS, seus custos seriam inviáveis à sustentabilidade do SUS. A matéria encontra-se em consulta pública, com possibilidade de reversão da decisão.

Justifica-se a alegação de urgência, conforme definição de urgência e emergência do CFM?

- () SIM, com potencial risco de vida
() SIM, com risco de lesão de órgão ou comprometimento de função
(x) NÃO

7. Referências bibliográficas

Banerji A, Bernstein JA, Johnston DT, Lumry WR, Magerl M, Maurer M, Martinez-Saguer I, Zanichelli A, Hao J, Inhaber N, Yu M, Riedl MA; HELP OLE Investigators. Long-term

prevention of hereditary angioedema attacks with lanadelumab: The HELP OLE Study. *Allergy*. 2022 Mar;77(3):979-990. doi: 10.1111/all.15011. Epub 2021 Aug 13. PMID: 34287942; PMCID: PMC9292251.

Banerji A, Riedl MA, Bernstein JA, Cicardi M, Longhurst HJ, Zuraw BL, Busse PJ, Anderson J, Magerl M, Martinez-Saguer I, Davis-Lorton M, Zanichelli A, Li HH, Craig T, Jacobs J, Johnston DT, Shapiro R, Yang WH, Lumry WR, Manning ME, Schwartz LB, Shennak M, Soteres D, Zaragoza-Urdaz RH, Gierer S, Smith AM, Tachdjian R, Wedner HJ, Hebert J, Rehman SM, Staubach P, Schranz J, Baptista J, Nothaft W, Maurer M; HELP Investigators. Effect of Lanadelumab Compared With Placebo on Prevention of Hereditary Angioedema Attacks: A Randomized Clinical Trial. *JAMA*. 2018 Nov 27;320(20):2108-2121. doi: 10.1001/jama.2018.16773

Brasil, Ministério da Saúde. Lanadelumabe para a profilaxia de longo prazo em pacientes com angioedema hereditário tipo I e II. Relatório de recomendação. Brasília, 2024

Brasil, Ministério da Saúde. Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas. Angioedema Hereditário associado à deficiência de inibidor de C1-esterase. Relatório de recomendação. Brasília, 2024.

Busse PJ, Christiansen SC. Hereditary angioedema. *N Engl J Med*. 2020;382:1136-1148. DOI: 10.1056/NEJMra1808012

Busse PJ, Christiansen SC, Riedl MA, Banerji A, Bernstein JA, Castaldo AJ, Craig T, Davis-Lorton M, Frank MM, Li HH, Lumry WR, Zuraw BL. US HAEA Medical Advisory Board 2020 Guidelines for the Management of Hereditary Angioedema. *J Allergy Clin Immunol Pract*. 2021 Jan;9(1):132-150.e3. doi: 10.1016/j.jaip.2020.08.046. Epub 2020 Sep 6. PMID: 32898710.

Gelfand JA, Sherins RJ, Alling DW, Frank MM. Treatment of hereditary angioedema with danazol. Reversal of clinical and biochemical abnormalities. *N Engl J Med*. 1976 Dec 23;295(26):1444-8. doi: 10.1056/NEJM197612232952602. PMID: 792688.

Riedl MA. Critical appraisal of androgen use in hereditary angioedema: a systematic review. *Ann Allergy Asthma Immunol*. 2015 Apr;114(4):281-288.e7. doi: 10.1016/j.anai.2015.01.003. Epub 2015 Feb 21. PMID: 25707325.

Riedl MA, Maurer M, Bernstein JA, Banerji A, Longhurst HJ, Li HH, Lu P, Hao J, Juethner S, Lumry WR; HELP Investigators. Lanadelumab demonstrates rapid and sustained prevention of hereditary angioedema attacks. *Allergy*. 2020 Nov;75(11):2879-2887. doi: 10.1111/all.14416. Epub 2020 Jul 6. PMID: 32452549; PMCID: PMC7689768.

Syed YY. Lanadelumab: A Review in Hereditary Angioedema. *Drugs*. 2019 Nov;79(16):1777-1784. doi: 10.1007/s40265-019-01206-w. PMID: 31560114.

8. Outras Informações – conceitos

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

CONITEC – Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde.
A CONITEC é um órgão colegiado de caráter permanente do Ministério da Saúde, que tem como função essencial assessorar na definição das tecnologias do SUS. É responsável pela avaliação de evidências científicas sobre a avaliação econômica, custo-efetividade, eficácia, a acurácia, e a segurança do medicamento, produto ou procedimento, e avaliação econômica: custo-efetividade.

RENAME - Relação Nacional de Medicamentos Essenciais

O RENAME é um importante instrumento orientador do uso de medicamentos e insumos no SUS. É uma lista de medicamentos que reflete as necessidades prioritárias da população brasileira, contemplando o tratamento da maioria das patologias recorrentes do país.

https://bvsms.saude.gov.br/bvs/publicacoes/relacao_nacional_medicamentos_2024.pdf

REMUME - Relação Municipal de Medicamentos Essenciais

A REMUME é uma lista padronizada de medicamentos adquiridos pelo município, norteada pela RENAME (Relação Nacional de Medicamentos) que atende às necessidades de saúde

prioritárias da população, sendo um importante instrumento orientador do uso de medicamentos no município.

ANS - Agência Nacional de Saúde Suplementar

A ANS é a agência reguladora do setor de planos de saúde do Brasil. Tem por finalidade institucional promover a defesa do interesse público na assistência suplementar à saúde, regulando as operadoras setoriais, contribuindo para o desenvolvimento das ações de saúde no país.

ANVISA - Agência Nacional de Vigilância Sanitária

A ANVISA é uma agência reguladora vinculada ao Ministério da Saúde e sua finalidade é fiscalizar a produção e consumo de produtos submetidos à vigilância sanitária como medicamentos, agrotóxicos e cosméticos. A agência também é responsável pelo controle sanitário de portos, aeroportos e fronteiras.

PROTOCOLOS CLÍNICOS E DIRETRIZES TERAPÊUTICAS (PCDT) - regramentos do Ministério da Saúde que estabelecem critérios para o diagnóstico da doença ou do agravo à saúde; o tratamento preconizado, com os medicamentos e demais produtos apropriados, quando couber; as posologias recomendadas; os mecanismos de controle clínico; e o acompanhamento e a verificação dos resultados terapêuticos, a serem seguidos pelos gestores do SUS. São baseados em evidência científica e consideram critérios de eficácia, segurança, efetividade e custo-efetividade das tecnologias recomendadas.

FINANCIAMENTO DA ASSISTÊNCIA FARMACÊUTICA é de responsabilidade das três esferas de gestão do SUS, conforme estabelecido na Portaria GM/MS n. 204/2007, os recursos federais são repassados na forma de blocos de financiamento, entre os quais o Bloco de Financiamento da Assistência Farmacêutica, que é constituído por três componentes:

» **Componente Básico da Assistência Farmacêutica:** destina-se à aquisição de medicamentos e insumos no âmbito da Atenção Primária em saúde e àqueles relacionados a agravos e programas de saúde específicos, inseridos na rede de cuidados deste nível de atenção. O Componente Básico da Assistência Farmacêutica (Cbaf) inclui os medicamentos que tratam os principais problemas e condições de saúde da população brasileira na Atenção Primária à Saúde. O financiamento desse Componente é responsabilidade dos três entes federados. A responsabilidade pela aquisição e pelo fornecimento dos itens à população fica a cargo do ente municipal, ressalvadas as variações de organização pactuadas por estados e regiões de saúde.

» **Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica:** financiamento para o custeio dos medicamentos destinados ao tratamento de patologias que, por sua natureza, possuem

abordagem terapêutica estabelecida. Este componente é financiado pelo Ministério da Saúde, que adquire e distribui os insumos a ele relacionados. O Componente Estratégico da Assistência Farmacêutica (Cesaf) destina-se ao acesso dos medicamentos e insumos destinados aos agravos com potencial de impacto endêmico e às condições de saúde caracterizadas como doenças negligenciadas, que estão correlacionadas com a precariedade das condições socioeconômicas de um nicho específico da sociedade. Os medicamentos do elenco do Cesaf são financiados, adquiridos e distribuídos de forma centralizada, pelo Ministério da Saúde, cabendo aos demais entes da federação o recebimento, o armazenamento e a distribuição dos medicamentos e insumos dos programas considerados estratégicos para atendimento do SUS.

» **Componente Especializado da Assistência Farmacêutica:** este componente tem como principal característica a busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, de agravos cujas abordagens terapêuticas estão estabelecidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT). Estes PCDT estabelecem quais são os medicamentos disponibilizados para o tratamento das patologias contempladas e a instância gestora responsável pelo seu financiamento. O Componente Especializado da Assistência Farmacêutica (Ceaf) é uma estratégia de acesso a medicamentos, no âmbito do SUS, para doenças crônico-degenerativas, inclusive doenças raras, e é caracterizado pela busca da garantia da integralidade do tratamento medicamentoso, em nível ambulatorial, cujas linhas de cuidado estão definidas em Protocolos Clínicos e Diretrizes Terapêuticas (PCDT) publicados pelo Ministério da Saúde. Os medicamentos que constituem as linhas de cuidado para as doenças contempladas neste Componente estão divididos em três grupos de financiamento, com características, responsabilidades e formas de organização distintas.

A autoria do presente documento não é divulgada, nos termos do artigo 3º, §1º, da Resolução nº 479/2022, do Conselho Nacional de Justiça.